



REGIONE PUGLIA

**DIPARTIMENTO PROMOZIONE DELLA SALUTE,
DEL BENESSERE SOCIALE E DELLO
SPORT PER TUTTI**

SEZIONE STRATEGIE E GOVERNO DELL'OFFERTA

**SERVIZIO STRATEGIE E GOVERNO DELL'ASSISTENZA
OSPEDALIERA**

PROPOSTA DI DELIBERAZIONE DELLA GIUNTA REGIONALE

Codice CIFRA: SGO / DEL / 2018/

**OGGETTO: Approvazione Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA)
per i soggetti affetti da Talassemia. Istituzione della "Rete della talassemia e delle
emoglobinopatie" della Regione Puglia**

Il Presidente, sulla base delle risultanze istruttorie espletate dal responsabile A.P. e confermate dal Dirigente della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta, riferisce quanto segue.

Visto:

- il D.Lgs. 502/1992 s.m.i., all'art. 2, co. 1, attribuisce alle Regioni l'esercizio delle funzioni legislative ed amministrative in materia di assistenza sanitaria ed ospedaliera, nel rispetto dei principi stabiliti dalle leggi nazionali.
- la Conferenza permanente per i rapporti tra Stato, Regioni e Province Autonome di Trento e Bolzano, rispettivamente in data 10.7.2014 e 5.08.2014, ha sancito l'intesa, ai sensi dell'art. 8, comma 6, della legge 5.6.2003, n. 131, concernente il Nuovo Patto per la Salute per gli anni 2014- 2016 e l'intesa, ai sensi dell'articolo 1, comma 169 della legge 30 dicembre 2004, n. 311 e dell'articolo 15, comma 13, lettera c) del decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95 convertito, con modificazioni, dalla legge 7 agosto 2012, n. 135, sullo schema di decreto del Ministro della Salute, di concerto con il ministro dell'Economia e delle Finanze, concernente il regolamento recante "definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera";
- la legge 23 dicembre 1996, n. 662 avente ad oggetto "Misure di razionalizzazione della finanza pubblica":

L'art. 1 "Misure in materia di sanità, pubblico impiego, istruzione, finanza regionale e locale, previdenza e assistenza" comma 28 introduce per la prima volta nell'ordinamento giuridico italiano il concetto di PDT: *"Allo scopo di assicurare l'uso appropriato delle risorse sanitarie e garantire l'equilibrio delle gestioni, i medici abilitati alle funzioni prescrittive conformano le proprie autonome decisioni tecniche a percorsi diagnostici e terapeutici, cooperando in tal modo al rispetto degli obiettivi di spesa. I percorsi diagnostici e terapeutici sono individuati ed adeguati sistematicamente dal Ministro della sanità, avvalendosi dell'Istituto superiore di sanità, sentite la Federazione nazionale dell'ordine dei medici chirurghi e degli odontoiatri e le società scientifiche interessate, acquisito il parere del Consiglio superiore di sanità. Il Ministro della sanità stabilisce, d'intesa con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, gli indirizzi per l'uniforme applicazione dei percorsi stessi in ambito locale e le misure da adottare in caso di mancato rispetto dei protocolli medesimi, ivi comprese le*

sanzioni a carico del sanitario che si discosti dal percorso diagnostico senza giustificati motivi.”

I PDT erano quindi stati inizialmente concepiti come uno strumento di coordinamento finalizzato, tra le altre cose, al conseguimento di una maggiore razionalizzazione delle risorse.

- il Decreto Legislativo 19 giugno 1999, n. 229 avente ad oggetto: “Norme per la razionalizzazione del Servizio Sanitario Nazionale, a norma dell’articolo 1 della Legge 30 novembre 1998, n. 419”:

*L’art. 1 “**Tutela del diritto alla salute, programmazione sanitaria e definizione dei livelli essenziali e uniformi di assistenza**” comma 10, lettera h, stabilisce che il Piano sanitario nazionale indica “le linee guida e i relativi percorsi diagnostico-terapeutici allo scopo di favorire, all’interno di ciascuna struttura sanitaria, lo sviluppo di modalità sistematiche di revisione e valutazione della pratica clinica e assistenziale e di assicurare l’applicazione dei livelli essenziali di assistenza”* riconoscendo pertanto i PDT come strumento di garanzia dei LEA e mezzo di revisione e valutazione della pratica clinica.

- la Legge 27 dicembre 2006, n. 296 avente ad oggetto “Disposizioni per la formazione del bilancio annuale e pluriennale dello Stato (legge finanziaria 2007)”:

L’art 1, comma 796, lettera m, stabilisce che “I percorsi diagnostico-terapeutici sono costituiti dalle linee-guida di cui all’articolo 1, comma 283, terzo periodo, della legge 23 dicembre 2005, n. 266, nonché da percorsi definiti ed adeguati periodicamente con decreto del Ministro della salute, previa intesa con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, su proposta del Comitato strategico del Sistema nazionale linee-guida, di cui al decreto del Ministro della salute 30 giugno 2004, integrato da un rappresentante della Federazione nazionale degli ordini dei medici chirurghi e degli odontoiatri”.

L’art. 5, comma 3 della Legge 8 marzo 2017, n. 24 ha previsto che il Sistema nazionale Linee Guida (SNLG), istituito con D.M. del giugno 2004, venga riorganizzato con decreto del Ministro della Salute.

- la Legge 3 agosto 2009, n. 102 avente ad oggetto “Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 1° luglio 2009, n. 78, recante provvedimenti anticrisi, nonché proroga di termini e della partecipazione italiana a missioni internazionali” e Piano Sanitario Nazionale 2011-2013:

Si prevede la promozione dell'uso appropriato dei farmaci attraverso l'individuazione di programmi terapeutici ragionati, ben definiti, per facilitare la gestione clinico-terapeutica dei pazienti, nonché l'ottimizzazione delle risorse disponibili e la valutazione dei risultati con un sistema di monitoraggio dei comportamenti prescrittivi.

- il Decreto Ministeriale 2 aprile 2015 n. 70 avente ad oggetto “Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera”:

L'art. 1, comma 2 dell'Allegato 1 stabilisce che *“...l'ospedale assicura la gestione del percorso diagnostico terapeutico (PDT) del problema clinico di cui si fa carico, sia all'interno del presidio che all'interno della rete ospedaliera, affinché possa essere assicurata, anche in fase successiva alla prima accettazione, l'allocazione dei pazienti presso i presidi che dispongano di un livello organizzativo coerente con la complessità assistenziale del caso da trattare. (...) L'ospedale integra la propria funzione con gli altri servizi territoriali attraverso l'adozione ordinaria di linee guida per la gestione integrata dei PDT per le patologie complesse ed a lungo termine ...”*.

- la Legge 28 dicembre 2015, n. 208 avente ad oggetto: “Disposizioni per la formazione del bilancio annuale e pluriennale dello Stato (legge di stabilità 2016)”:

L'art. 1, comma 539 dispone che *“... tutte le strutture pubbliche e private che erogano prestazioni sanitarie attivino un'adeguata funzione di monitoraggio, prevenzione e gestione del rischio sanitario (risk management) (...) per la rilevazione del rischio di inappropriata nei percorsi diagnostici e terapeutici...”*;

- la Legge 8 marzo 2017, n.24, (legge Gelli) avente ad oggetto "Disposizioni in materia di sicurezza delle cure e della persona assistita, nonché in materia di responsabilità professionale degli esercenti le professioni sanitarie":

L'art. 5 “Buone pratiche clinico-assistenziali e raccomandazioni previste dalle linee-guida” prevede che *“Gli esercenti le professioni sanitarie, nell'esecuzione delle prestazioni sanitarie con finalità preventive, diagnostiche, terapeutiche, palliative, riabilitative e di medicina legale, si attengono, salve le specificità del caso concreto, alle raccomandazioni previste dalle linee guida pubblicate ai sensi del comma 3 ed elaborate da enti e istituzioni pubblici e privati*

nonché dalle società scientifiche e dalle associazioni tecnico-scientifiche delle professioni sanitarie iscritte in apposito elenco...".

- il Decreto 2 novembre 2015 “Disposizioni relative ai requisiti di qualità e sicurezza del sangue e degli emocomponenti”;
- la Deliberazione di Giunta Regionale 10 febbraio 2015, n. 158 avente ad oggetto “Accordo Conferenza Stato - Regioni del 16/10/2014 “Piano Nazionale per le Malattie Rare 2013-2016”- Recepimento Piano Programmatico 2013-2016 del Coordinamento Regionale Malattie Rare (CoReMaR) Puglia - Approvazione Linee Guida ed Istruzioni operative in materia di Assistenza ai pazienti affetti da Malattia rara - Approvazione”.

Il capitolo 5 dell'allegato C recante le “Linee Guida Regionali ed Istruzioni Operative in Materia di Assistenza ai pazienti affetti da malattie Rare” contiene una puntuale disamina del Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) suddiviso in una prima fase di diagnosi, accertamento ed attestazione del diritto all'esenzione e in una seconda fase di assistenza e monitoraggio.

- la deliberazione di Giunta Regionale 23 febbraio 2017, n. 226 avente ad oggetto “Approvazione del percorso di definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) e dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le Malattie rare - Istituzione “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare”;
- il Regolamento regionale di riordino della rete ospedaliera 10 marzo 2017, n. 7 avente ad oggetto: “Riordino ospedaliero della Regione Puglia ai sensi del D.M. n. 70/2015 e delle leggi di stabilità 2016-2017. Modifica e integrazione del R.R. n. 14/2015”, modificato dal Regolamento regionale n. 3/2018;
- la deliberazione di Giunta regionale n. 900/2017 avente ad oggetto “Regolamento regionale 10 marzo 2017, n. 7 di riordino della Rete ospedaliera pugliese, ai sensi del D.M. n. 70/2015 e delle Leggi di Stabilità 2016-2017. Modello organizzativo della Rete trasfusionale pugliese, in attuazione dell'art. 5 del R.R. n. 7/2017;
- la deliberazione di Giunta Regionale n. 2305 del 28/12/2017 avente ad oggetto: “Programma di autosufficienza regionale del sangue e dei suoi prodotti della Regione Puglia per l'anno 2018. Progetto pilota tra Servizi Trasfusionali e Centri di microcitemia delle Asl di Brindisi e Taranto. Modifica ed integrazione della deliberazione di Giunta regionale n. 2158/2016”.

- la deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017 avente ad oggetto: "Documento di pianificazione del trattamento della talassemia e delle emoglobinopatie congenite. Istituzione del Gruppo di Lavoro Talassemie ed Emoglobinopatie congenite";
- le determine dirigenziali n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018 di nomina dei componenti del Gruppo di lavoro;
- la legge del 27 dicembre 2017, n. 205 comma 437/438 di istituzione della Rete Nazionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie;
- la deliberazione di Giunta Regionale 28 dicembre 2017 n. 2305 del avente ad oggetto: "Programma di autosufficienza regionale del sangue e dei suoi prodotti della Regione Puglia per l'anno 2018. Progetto pilota tra Servizi Trasfusionali e Centri di microcitemia delle Asl di Brindisi e Taranto. Modifica ed integrazione della deliberazione di Giunta regionale n. 2158/2016";
- le deliberazione di Giunta regionale n. 1491 /2017 e n. 329/2018 relative alla rete malattie rare, in attuazione del DPCM 12/01/2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502";
- la deliberazione di Giunta regionale n. 326 del 13/03/2018 ad oggetto: "Accordo, ai sensi degli artt. 2, comma 1, lett. b) e 4 del Decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano, concernente - Revisione e aggiornamento della costituzione e del funzionamento del Comitato del Buon Uso del Sangue" - Rep. Atti n. 251/CSR del 21 dicembre 2017 - Recepimento".
- il modello unico regionale del Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA), approvato con la deliberazione di Giunta regionale n. 658 del 24/04/2018.

Atteso che:

a) il Decreto Ministeriale 2 aprile 2015 n. 70 "Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera" e, specificamente, il punto 8 "Reti ospedaliere" prevede (cfr. 8.1.1.) che all'interno del disegno globale della rete ospedaliera è necessaria l'articolazione delle reti per patologia che integrano l'attività ospedaliera per acuti e post acuti con l'attività territoriale con particolare riferimento alle reti infarto, ictus, traumatologica, neonatologica e punti nascita, medicine specialistiche, oncologica, pediatrica, trapiantologica, terapia del dolore e malattie rare;

b) lo stesso D.M. n.70/2015 prevede altresì che "per la definizione delle reti sopra elencate le regioni adottino specifiche disposizioni tenendo conto delle linee guida organizzative e delle raccomandazioni già contenute negli appositi Accordi sanciti in sede di Conferenza Stato-regioni sulle rispettive materie.

Con la deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017 è stato istituito il Gruppo di Lavoro Talassemie ed Emoglobinopatie congenite, i cui componenti sono stati nominati con le determinazioni dirigenziali n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018. Il citato gruppo di lavoro aveva tra l'altro anche il compito di definire il PDTA "Talassemia".

Il Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) e il Piano Diagnostico Terapeutico (PDT) per la talassemia rappresentano uno strumento di gestione clinica che definisce il processo assistenziale dei soggetti affetti da questa patologia, sulla base di evidenze scientifiche e linee-guida adattate al contesto regionale pugliese, tenuto conto delle aspettative e dei bisogni dei pazienti e nel rispetto della normativa vigente. Il PDT definisce "cosa fare e perché" ed il PDTA descrive una specifica sequenza spaziale e temporale di attività e comportamenti che individuano chiaramente "chi fa cosa, come e quando", le modalità di collegamento funzionale dei diversi luoghi deputati all'assistenza, le regole affinché il paziente possa accedere a determinati servizi/prestazioni in maniera semplificata, chiara ed equa.

Il PDTA mira a garantire un livello minimo ed uniforme di qualità dell'assistenza su tutto il territorio regionale. Non si tratta tuttavia di un processo chiuso e rigido, ma di uno strumento in continuo divenire, oggetto di monitoraggio e valutazione in termini di impatto clinico ed economico, mediante l'utilizzo di specifici indicatori, in una prospettiva di crescente miglioramento della qualità secondo il noto ciclo di Deming o PDCA (Plan-Do-Check-Act - Progettare- Gestire il cambiamento- Monitorare - Standardizzare), al fine di avvicinare sempre più il percorso effettivo al percorso ideale.

I Centri di microcitemia presso cui i pazienti sono attualmente in carico sono i seguenti:

Struttura ospedaliera	Centro di cura
IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza"	Servizio trasfusionale
Azienda Ospedaliero Universitaria - Ospedale Riuniti Foggia	Servizio trasfusionale
Azienda Ospedaliera Policlinico di Bari	U.O. di Ematologia
Ospedale "Di Venere"	Servizio Trasfusionale
Ospedale pediatrico Giovanni XXIII	U.O. Pediatria Generale e Specialistica "B. Trambusti" - Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII-Policlinico di Bari"
PTA "S. Nicola Pellegrino" - Trani	Ambulatorio di Oncologia Ematologica
Ospedale Santissima Annunziata Taranto	U.O. di Ematologia
Ospedale M. Giannuzzi - Manduria	Centro funzionalmente collegato con la U.O. di Ematologia dell'Ospedale "SS. Annunziata" di Taranto
Ospedale Brindisi "Di Summa - Perrino"	U.O. di Ematologia
Ospedale di Casarano "F. Ferrari"	U.O. di Medicina generale
Ospedale "V. Fazzi" di Lecce	U.O.C. di Medicina Generale
Ospedale "Sacro Cuore di Gesù" Gallipoli	U.O.C. di Medicina Generale

Presso gli Ospedali di Galatina e Copertino sono assistiti rispettivamente n. 4 e n. 14 soggetti affetti da talassemia per il solo atto trasfusionale, ma in carico presso il Centro Microcitemia dell'Ospedale "V. Fazzi" di Lecce.

Il Gruppo di Lavoro, di cui alla deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017, ha approvato il PDTA della talassemia. La patologia oggetto del citato PDTA è la beta talassemia e gli obiettivi specifici del presente PDTA sono il miglioramento dell'efficacia, efficienza e appropriatezza delle cure in favore dei soggetti affetti da talassemia e la riduzione della variabilità nelle cure e del rischio clinico.

Il PDTA predisposto dal Gruppo di lavoro riguarda essenzialmente la beta talassemia trasfusione dipendente che rappresenta il principale problema clinico nella nostra regione nell'ambito di tutte le forme di talassemia

Il termine talassemia si riferisce ad un gruppo di disordini ereditari caratterizzati da ridotta o assente sintesi di una o più catene globiniche dell'emoglobina (Hb). Sulla base della catena

ridotta o mancante si distinguono alfa, beta, gamma, delta, delta-beta o epsilon gamma delta beta talassemie.

Da un punto di vista clinico i tipi più rilevanti di talassemia sono la alfa (α -) e la beta (β -) talassemia che determinano la riduzione di uno dei tipi di catena globinica che formano l'emoglobina adulta (HbA, $\alpha_2\beta_2$). La maggior parte delle talassemie hanno un'eredità autosomica recessiva. In relazione al carattere recessivo della condizione, l'eterozigosi per alfa o beta talassemia è solitamente asintomatica e non richiede trattamento. L'omozigosi o la eterozigosi composta (doppia eterozigosi) determina sindromi o malattia talassemica. Inoltre anche l'interazione tra talassemia e corrispondente emoglobinopatia (esempio Hb E, Hb Lepore, HbC, o Hb S con beta talassemia oppure Hb CS con alfa talassemia) può dare origine a varie sindromi talasemiche (es. talasso-drepanocitosi).

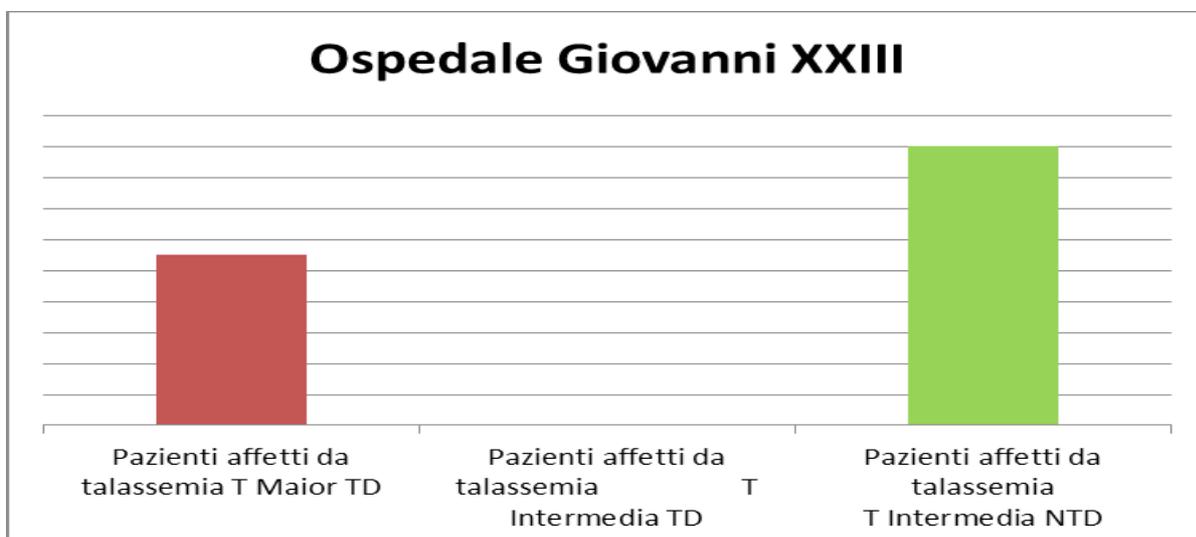
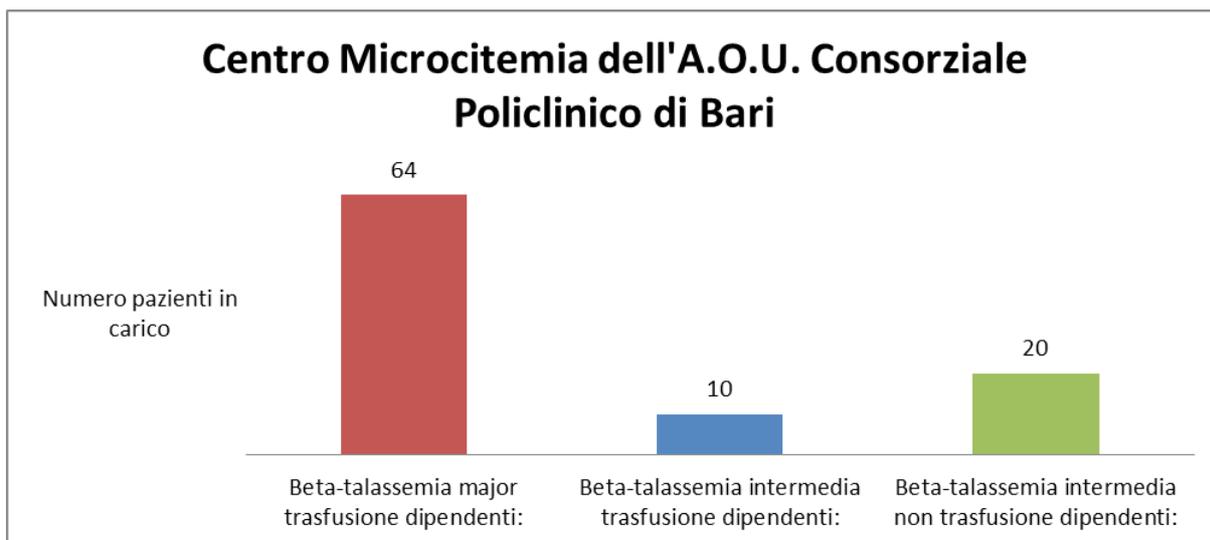
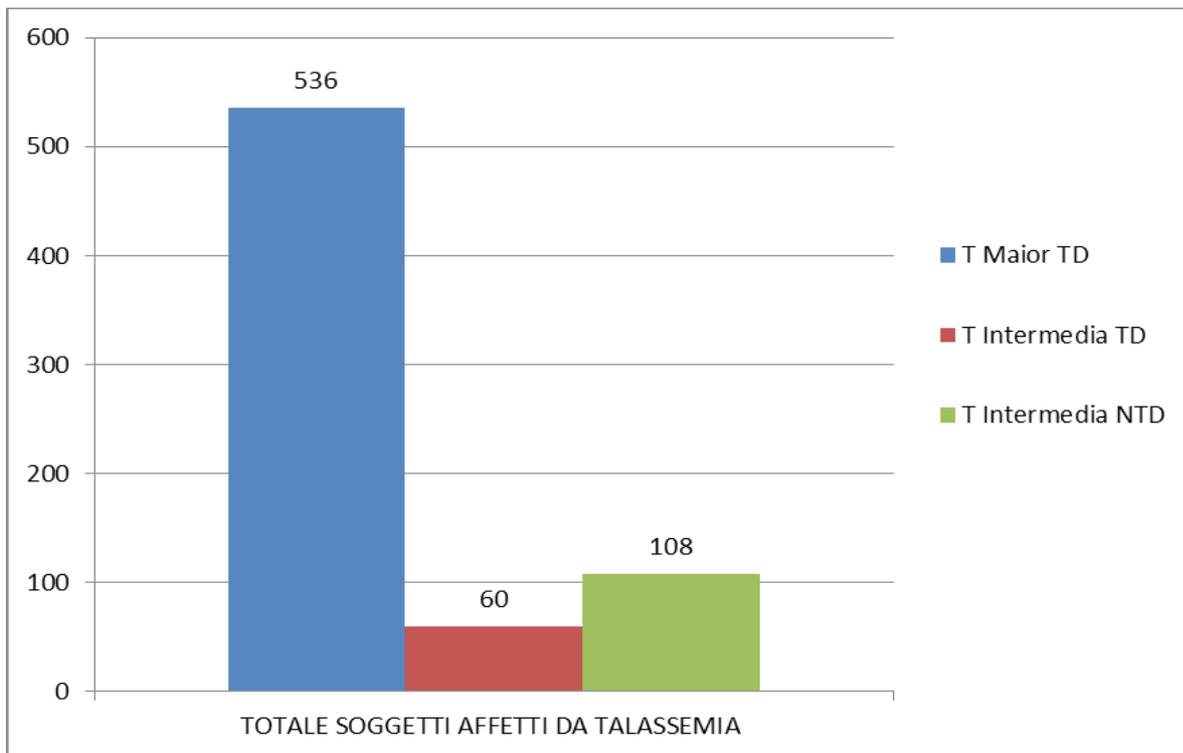
Attualmente in relazione alla gravità clinica e alle necessità trasfusionali le sindromi talasemiche possono fenotipicamente essere classificate in due gruppi: talassemia trasfusione dipendente (TDT) e talassemia non trasfusione dipendente (NTDT).

Da un punto di vista epidemiologico la beta talassemia assieme alle altre forme di talassemia rappresentano uno dei disordini genetici più diffusi al mondo.

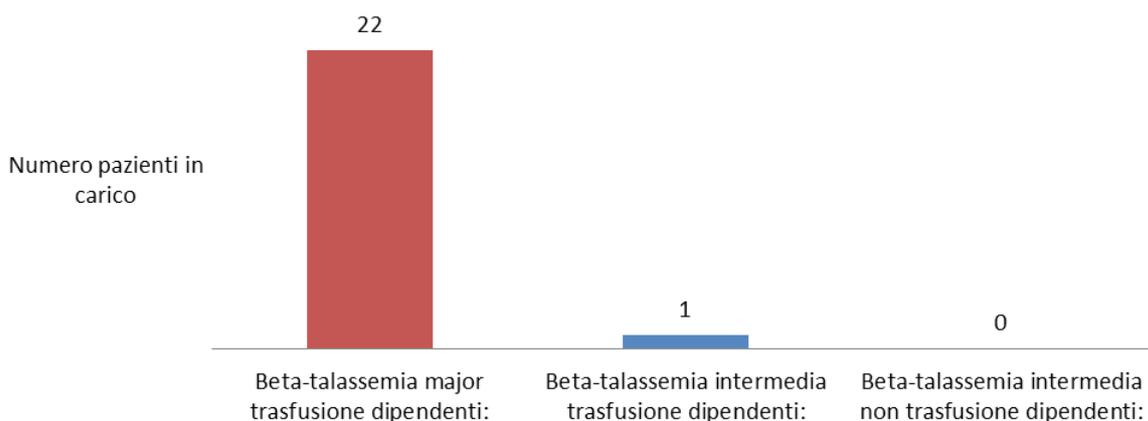
L'entità della distribuzione geografica della malattia e i numeri che rappresentano la dimensione della talassemia in Italia (circa 7.000 soggetti affetti) ci dicono come si tratti di una malattia, classificata come rara, ma in realtà molto diffusa e radicata nel nostro paese (soprattutto Sicilia, Sardegna e Puglia).

I flussi migratori ed il realizzarsi di una società progressivamente multi-etnica stanno cambiando l'epidemiologia delle sindromi talasemiche in Italia ed anche in Puglia. Nella nostra regione i dati disponibili (Censimento centri talassemia chiuso il 15 marzo 2018) indicano la presenza di 704 soggetti affetti da talassemia di cui 536 soggetti affetti da talassemia major e 168 soggetti affetti da talassemia intermedia, di cui 60 trasfusione dipendenti (TDT totali pari a 596). Il 70% del totale dei pazienti affetto si riferisce all'Area Salento (Brindisi, Lecce e Taranto), circa il 20% all'Area Bari ed il restante 10% all'Area Puglia Nord (Foggia e BT).

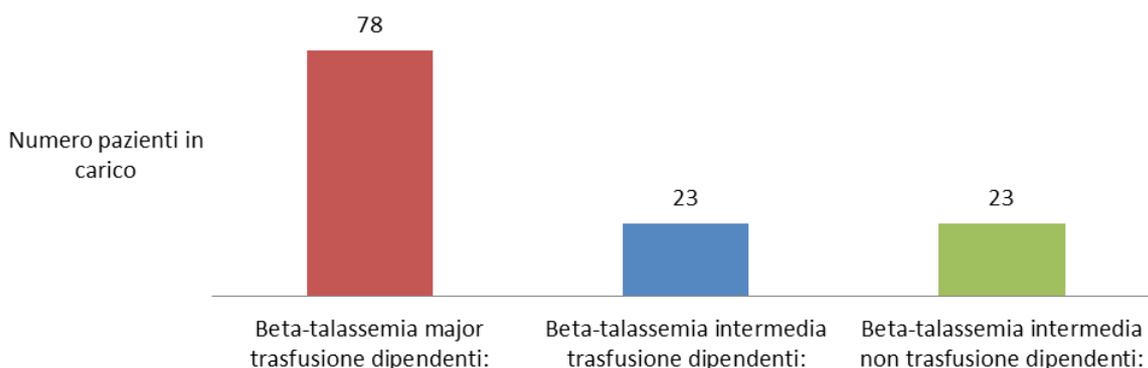
Si riportano di seguito i dati di dettaglio:



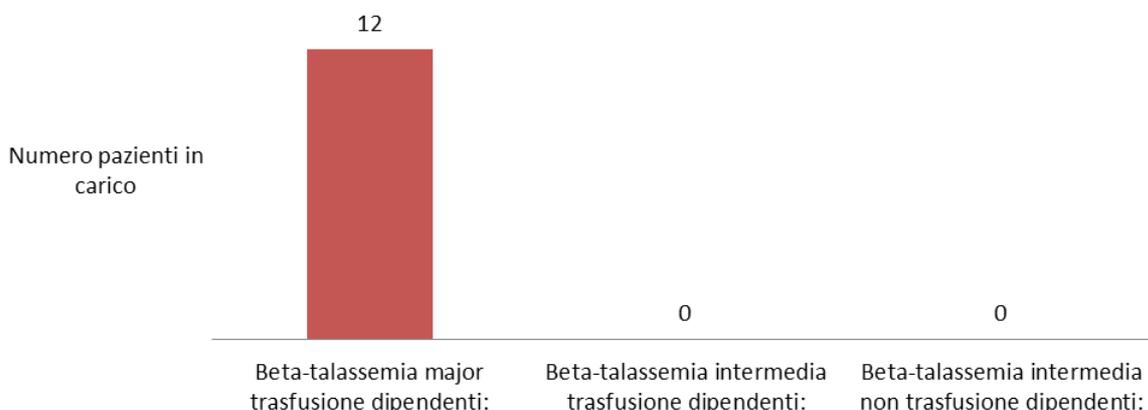
Centro Microcitemia Ospedale Di Venere



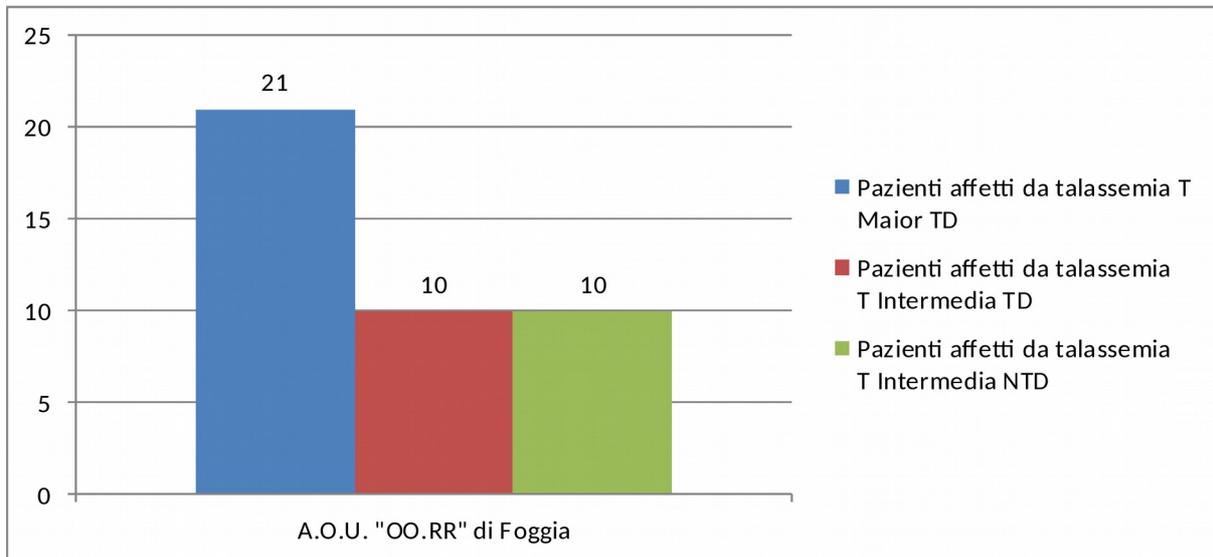
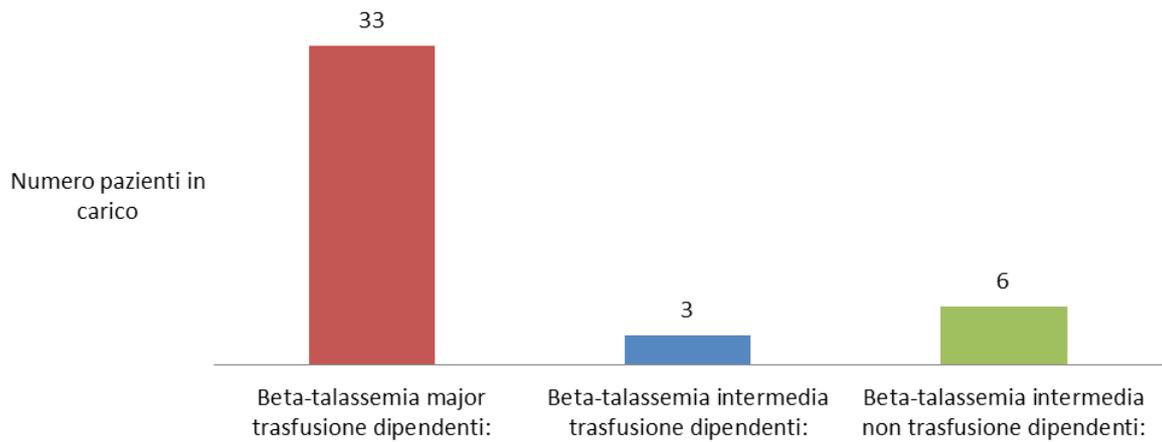
Centro di Microcitemia dell'U.O. di Ematologia dell'Ospedale Perrino di Brindisi



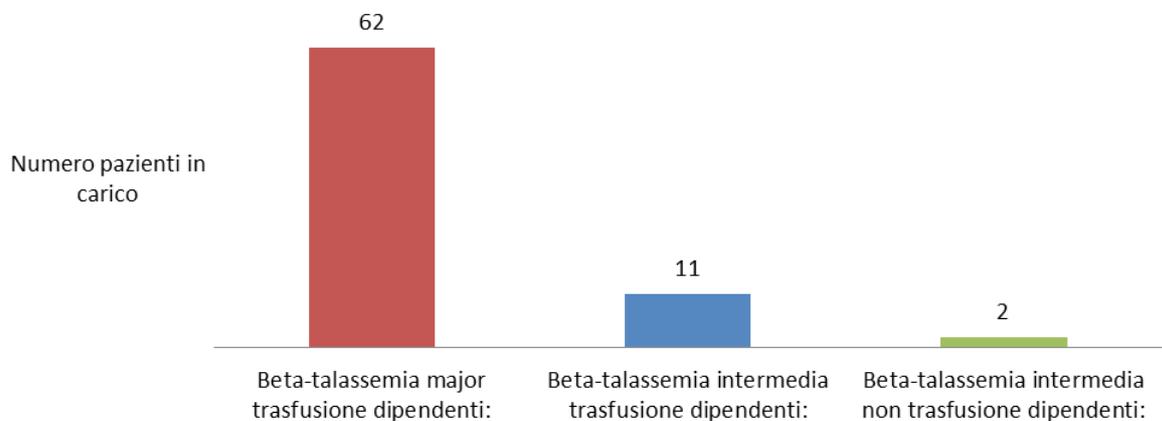
Centro Microcitemia - UOSVD Ematologia Trani

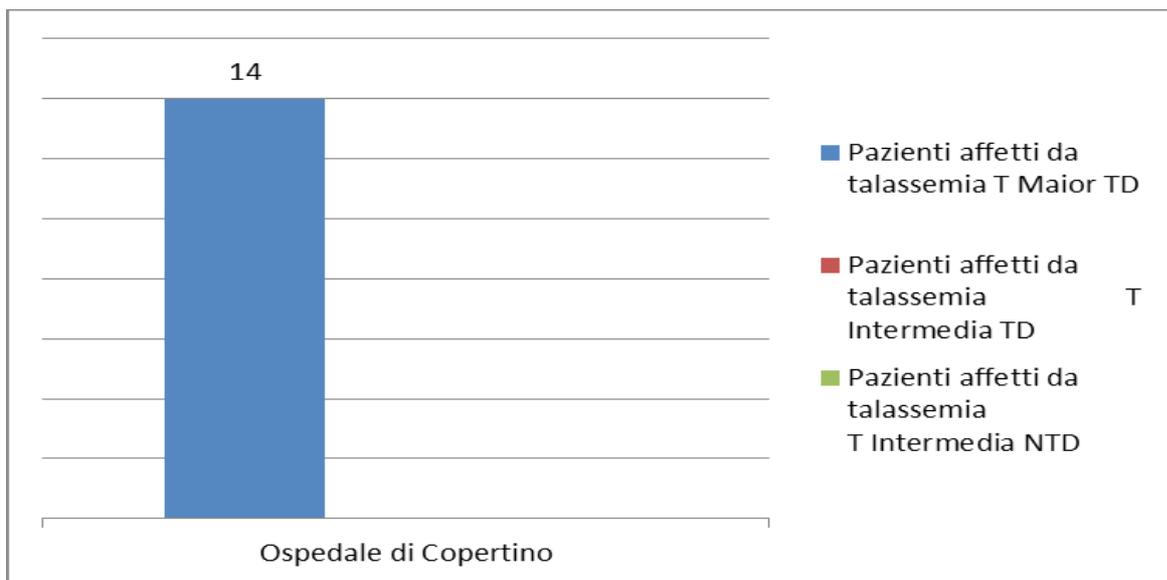
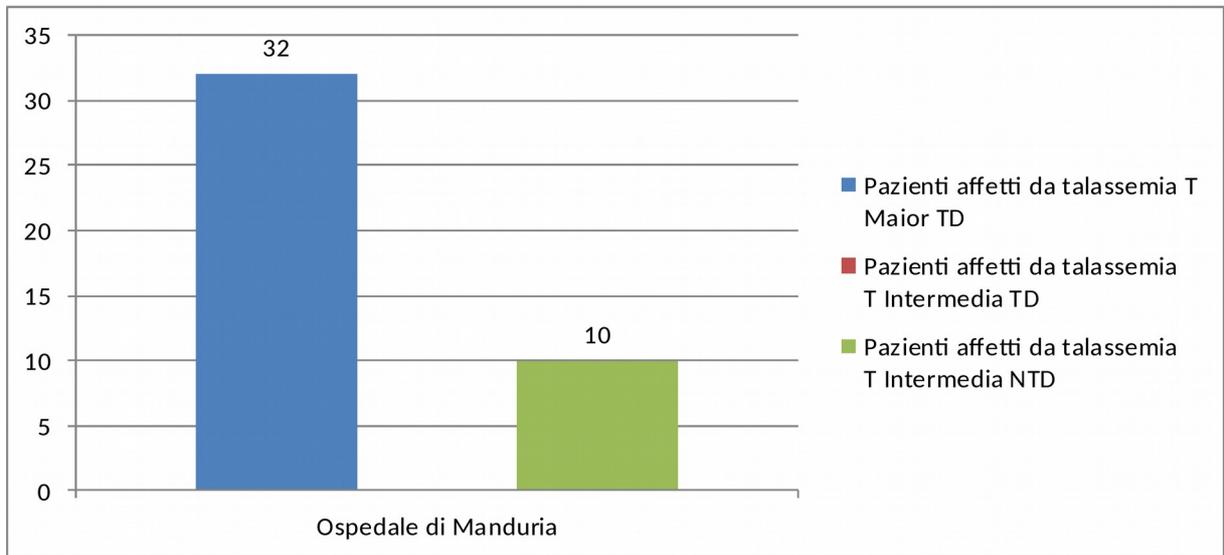
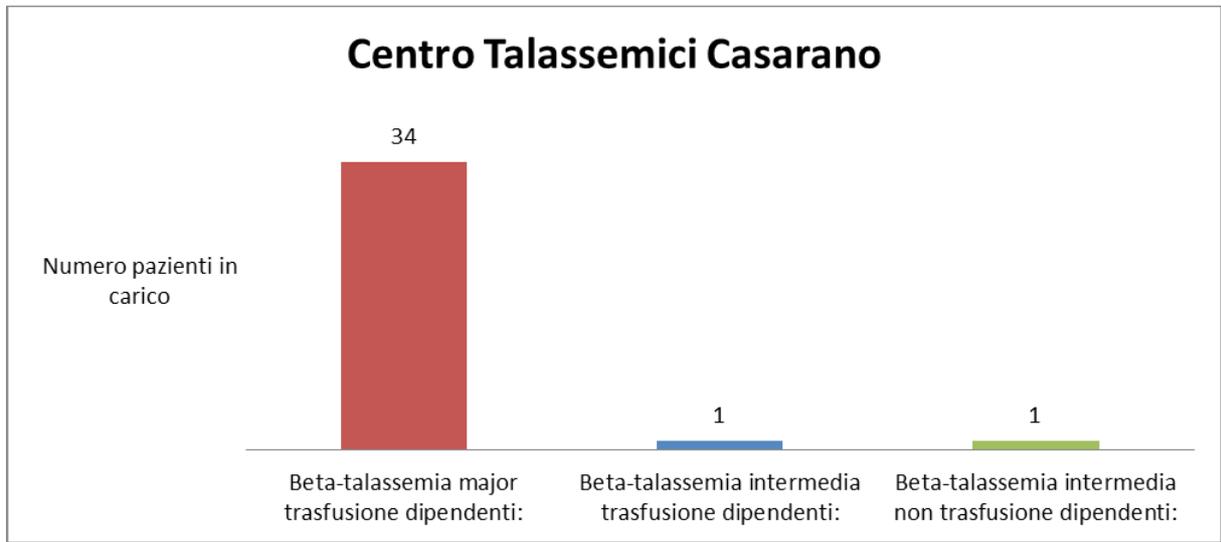


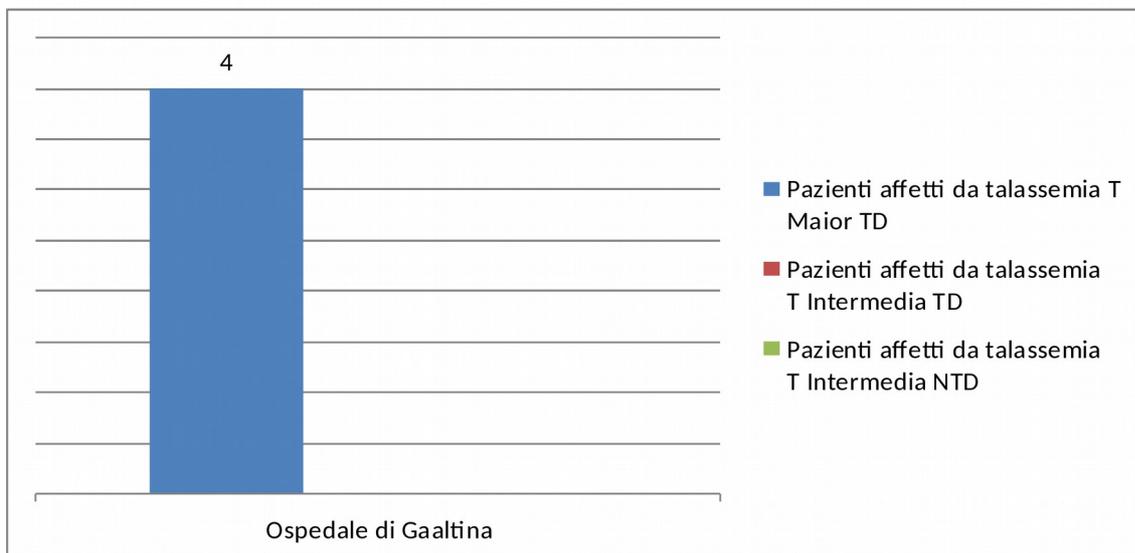
U.O.S. Talassemia - Casa Sollievo della Sofferenza



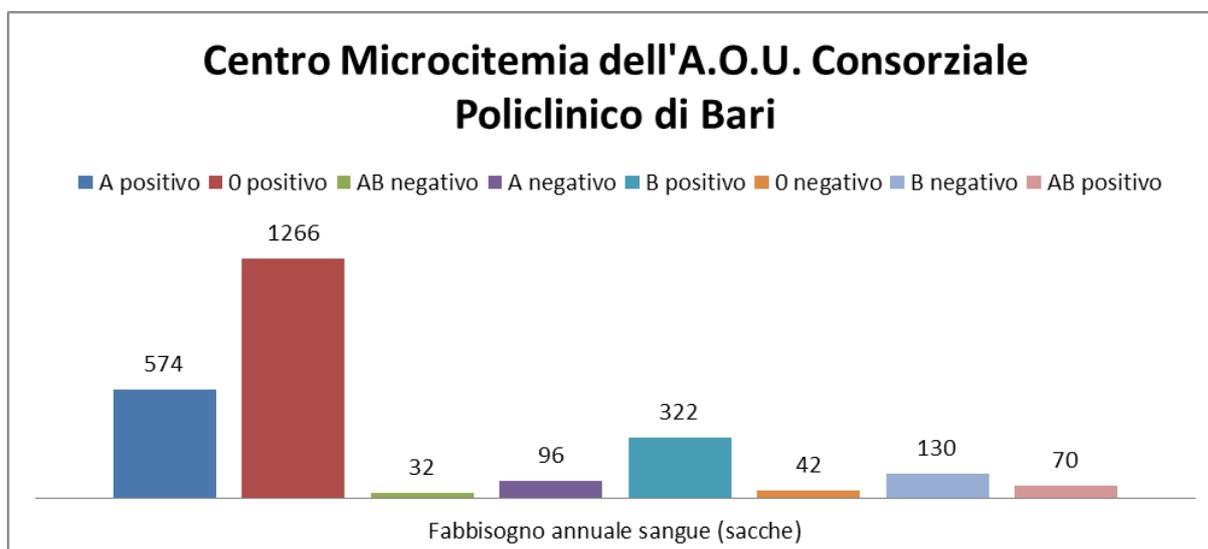
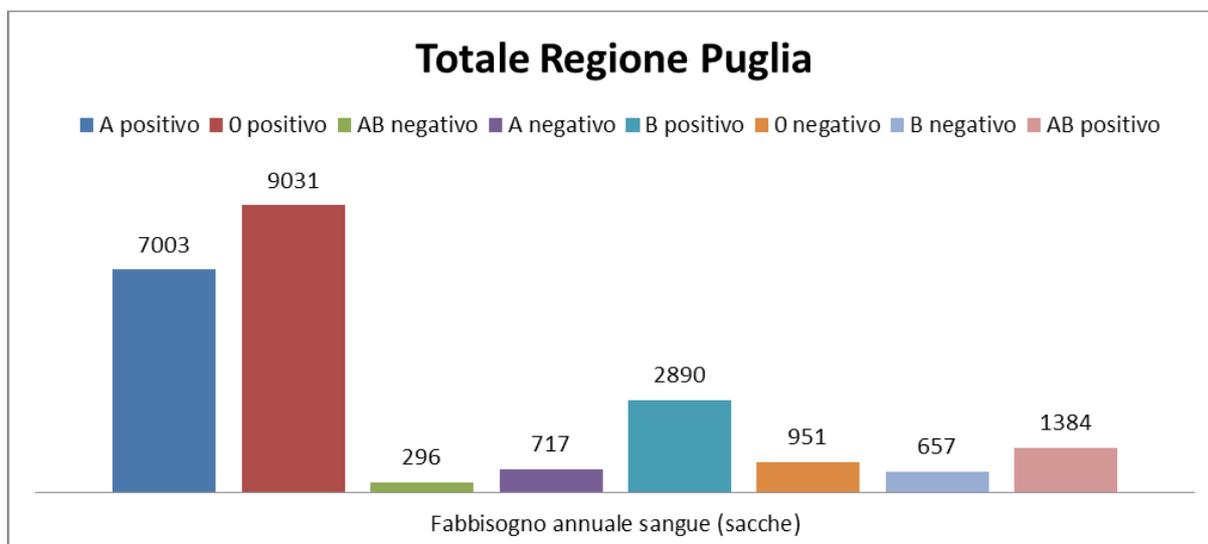
Centro Talassemici Lecce





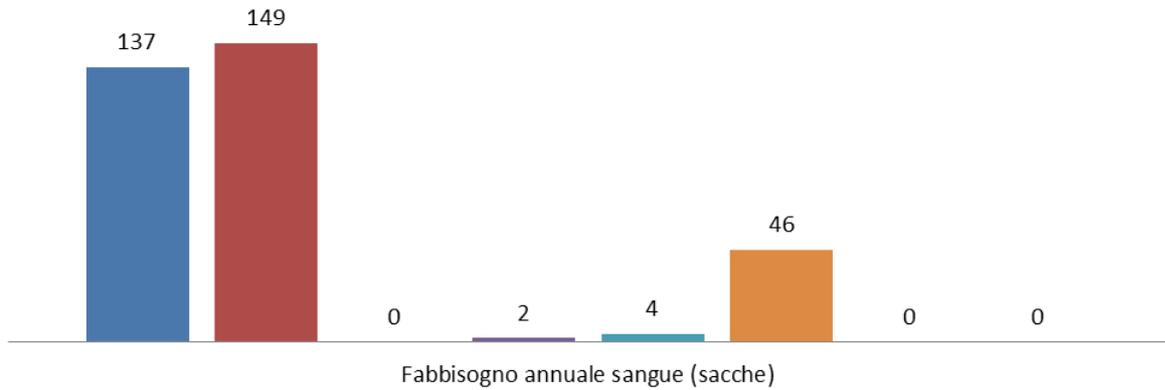


Di seguito si riportano i dati relativi al fabbisogno trasfusionale per singolo centro microcitemia:



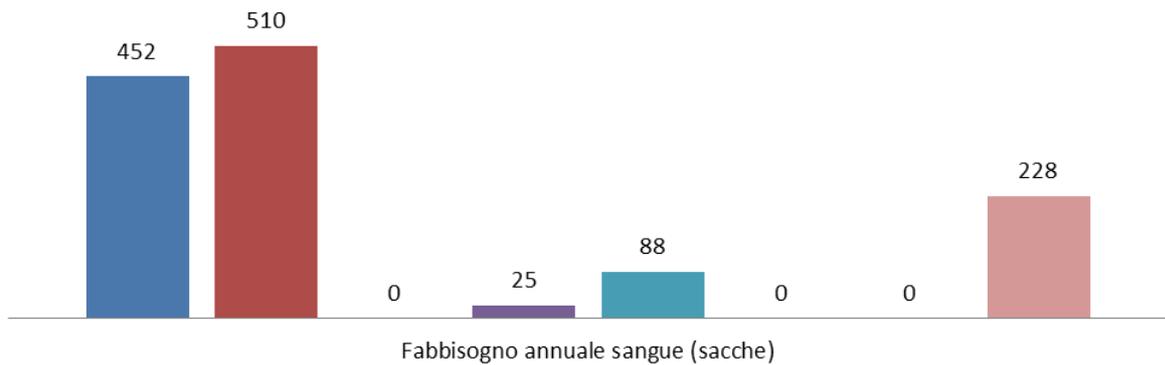
Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



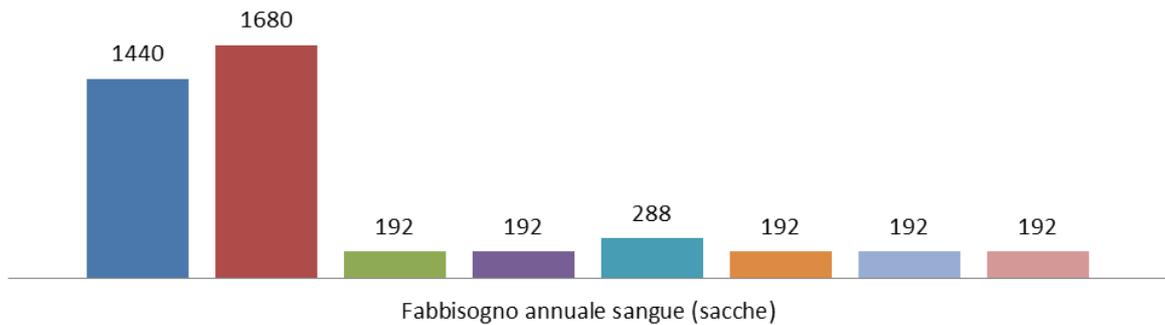
Centro Microcitemia Ospedale Di Venere

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



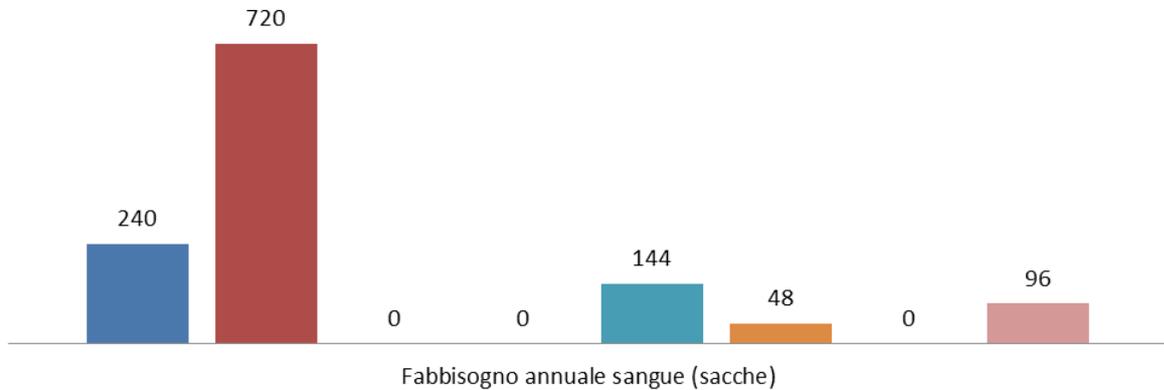
Centro Microcitemia dell'U.O. di Ematologia dell'Ospedale Perrino di Brindisi

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



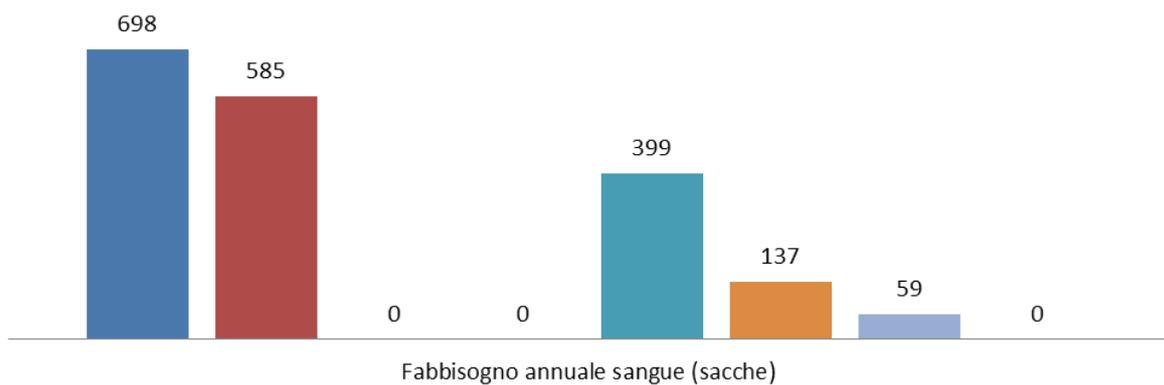
Centro Microcitemia - UOSVD Ematologia Trani

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



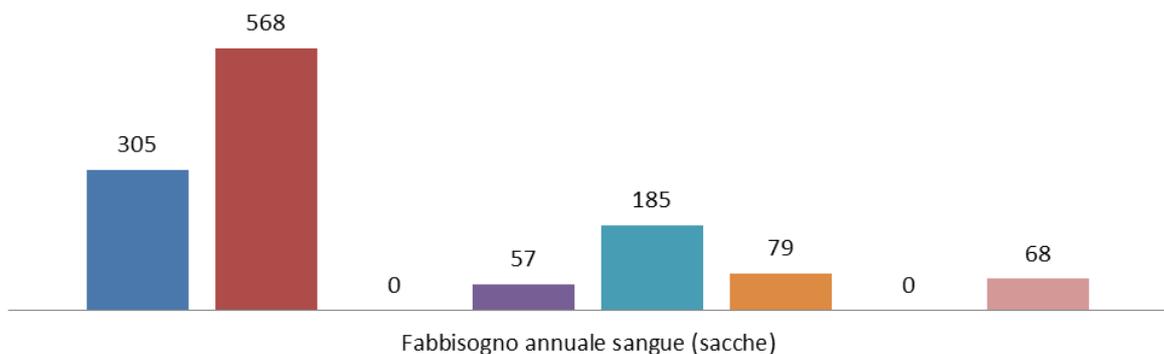
U.O.S. Talassemia - Casa Sollievo della Sofferenza

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



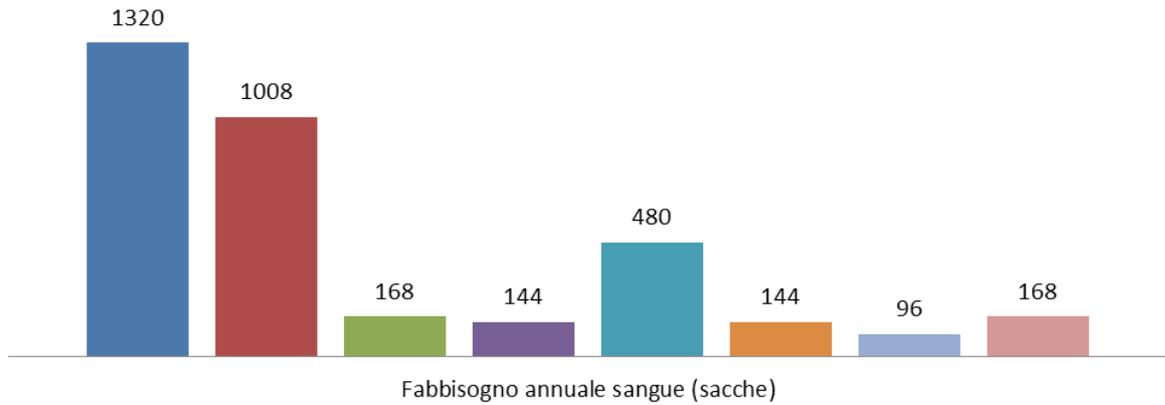
S.C. Immunoematologia e Medicina Trasfusionale - OO.RR. di Foggia

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



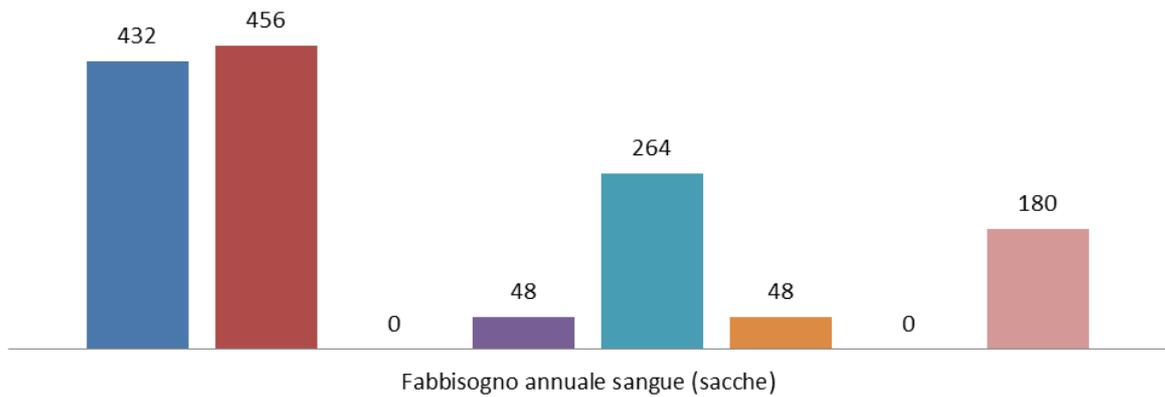
Centro Talassemici Lecce

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



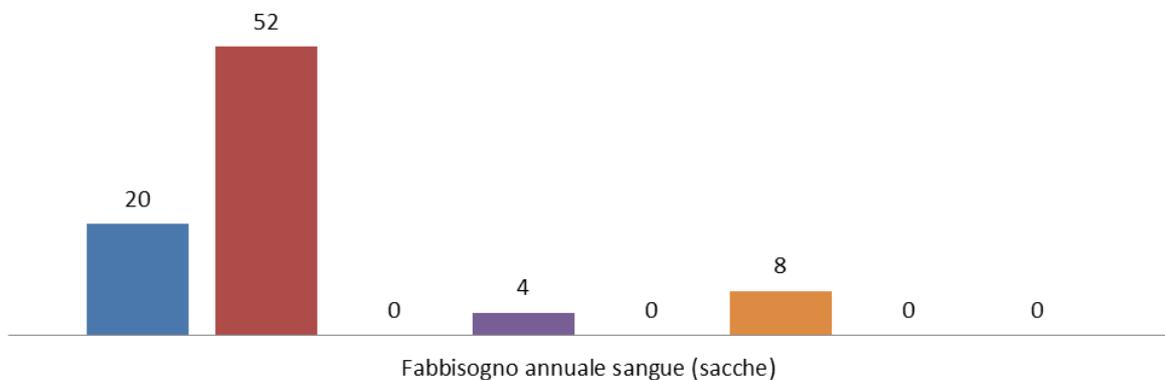
Centro Talassemici Casarano

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



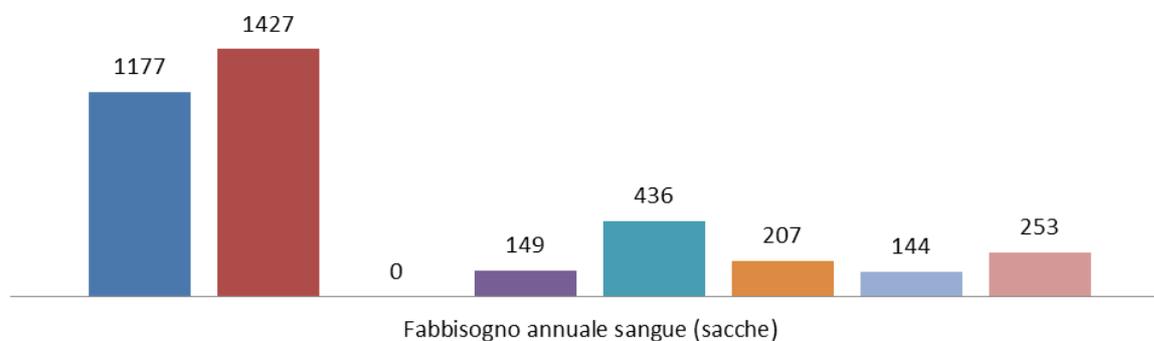
Centro Talassemici Gallipoli

■ A positivo ■ O positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ O negativo ■ B negativo ■ AB positivo



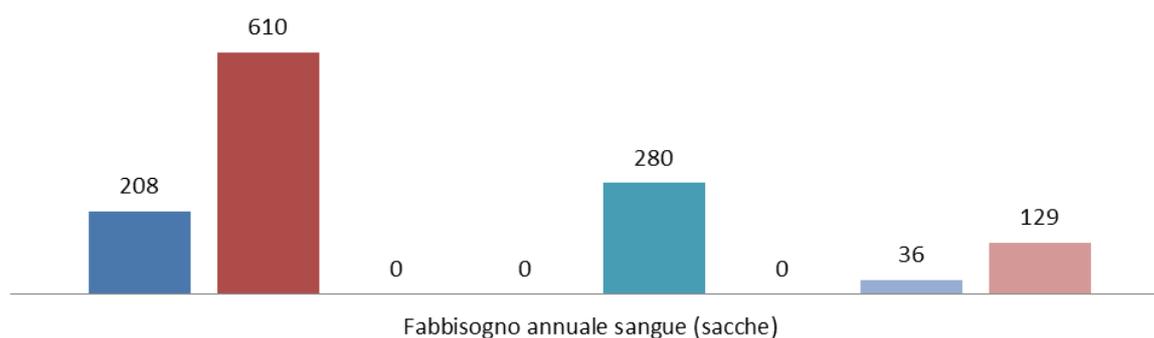
S.S. Microcitemia ASL TA - Presidio Ospedaliero Centrale

■ A positivo ■ 0 positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ 0 negativo ■ B negativo ■ AB positivo



Servizio di Microcitemia dell'Ospedale Giannuzzi di Manduria

■ A positivo ■ 0 positivo ■ AB negativo ■ A negativo ■ B positivo ■ 0 negativo ■ B negativo ■ AB positivo



Il Gruppo di lavoro, di cui alla deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017, ha approvato il documento (PDT/PDTA della Talassemia) ed in particolare:

- il **Piano Diagnostico Terapeutico (PDT)** è così articolato:

- Definizione della Patologia oggetto del PDT/PDTA;
- Epidemiologia;
- Fisiopatologia;
- Manifestazioni cliniche;
- Manifestazioni ematologiche;
- Genetica e correlazioni genotipo fenotipo;
- Storia naturale della malattia;
- Comorbidità/Complicanze;

- Diagnosi
- Indagini diagnostiche di laboratorio
- Diagnosi prenatale
- Monitoraggio (follow-up)
- Terapia

- **il Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) è così articolato:**
- Descrizione dei destinatari del PDTA e della Rete di Assistenza;
- Percorso diagnostico
- Ruolo dei Medici del Territorio e dei Ginecologi
- Ruolo dei Centri
- Percorso terapeutico assistenziale
- Ruolo dei Medici del Territorio
- Ruolo dei Centri
- Presa in carico
- Monitoraggio
- Terapia trasfusionale
- Terapia ferrochelante e delle comorbidità/complicanze
- Altri trattamenti
- Ruolo delle Associazioni dei Pazienti
- Aspetti assistenziali
- Monitoraggio e valutazione del PDTA
- Identificazione delle risorse appropriate.

In base agli esiti del processo diagnostico i soggetti valutati sono avviati a differenti percorsi:

- il soggetto portatore sano tipico di beta talassemia riporta l'informazione ai Medici del Territorio;
- il soggetto con indagini indicative di talassemia major o intermedia viene inviato al Centro di Cura più vicino per la presa in carico.

Preso atto:

- del Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR) 2013-16 approvato in Conferenza Stato-Regioni durante la seduta del 16 ottobre 2014, in relazione all'assistenza

farmaceutica in favore dei soggetti affetti da talassemia come per altre malattie rare, in cui è chiarito che “l’ambito di applicazione del d.m. n. 279/2001 non riguarda l’assistenza farmaceutica, né l’assistenza protesica e integrativa, che sono regolamentate da altre norme specifiche, anche per gli esenti”;

- dell’art. 43. del DPCM 12/01/2018 avente ad oggetto “Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all’articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502”, con cui è stato stabilito tra l’altro, nell’ambito dei “Criteri di appropriatezza del ricovero in day hospital” che ricoveri in day hospital per finalità terapeutiche sono da considerarsi appropriati nei seguenti casi: “b) *somministrazione di terapia per via endovenosa di durata superiore a un’ora ovvero necessità di sorveglianza, monitoraggio clinico e strumentale dopo la somministrazione di durata prolungata*”;
- del comma 437 della Legge 27 dicembre 2017, n. 205 “*Bilancio di previsione dello Stato per l’anno finanziario 2018 e bilancio pluriennale per il triennio 2018-2020*” secondo cui: “*Il Ministro della salute, con proprio decreto da adottare entro novanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, istituisce la Rete nazionale della talassemia e delle emoglobinopatie, di cui fanno parte i centri di cura e le reti regionali già esistenti, ed adotta linee guida specifiche per la corretta applicazione dei protocolli terapeutici e dei percorsi di assistenza*”;

Alla luce di quanto sopra esposto, si propone di:

1. di prendere atto che attualmente l’assistenza alla talassemia ed alle emoglobinopatie è garantito presso i seguenti Centri con indicazione delle Unità operative/Servizi di riferimento:

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio trasfusionale dell’IRCCS “Casa Sollievo della Sofferenza”;

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio trasfusionale dell’Azienda Ospedaliera “OO.RR.” di Foggia;

✓ Centro di Microcitemia afferente alla Unità Operativa di Ematologia dell’Azienda Ospedaliero Consorziiale Policlinico di Bari;

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio Trasfusionale dell’Ospedale “Di Venere” di Bari;

- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Pediatria Generale e Specialistica "B. Trambusti" –Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII";
- ✓ Ambulatorio di Oncologia Ematologica – PTA "S. Nicola Pellegrino" – Trani;
- ✓ Centro di Microcitemia dell'Ospedale "Santissima Annunziata" di Taranto afferente all'Unità Operativa di Ematologia;
- ✓ Centro di microcitemia dell'Ospedale M. Giannuzzi di Manduria afferente Unità Operativa di Ematologia dell'Ospedale "Santissima Annunziata" di Taranto;
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Ematologia dell'Ospedale Brindisi "Di Summa - Perrino";
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina generale dell'Ospedale di Casarano "F. Ferrari";
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "V. Fazzi" di Lecce;
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Sacro Cuore di Gesù" di Gallipoli.

2. di approvare il documento "Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) sul trattamento delle talassemie" di cui all'Allegato, composto da n. 60 (sessanta) fogli e parte integrante e sostanziale del presente schema di provvedimento, condiviso e ratificato dal Gruppo di Lavoro Talassemie ed Emoglobinopatie congenite, istituito con la deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017 e con le successive determinazioni dirigenziali di nomina n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018;

3. di stabilire, in ottemperanza all'art. 43 del D.P.C.M. 12/01/2018 (nuovi LEA), che:

- a) la terapia trasfusionale in favore dei soggetti con TDT venga erogata in regime di DH (DH terapeutico) ai fini della sicurezza trasfusionale vengono messe in atto tutte le misure in grado di garantire la prevenzione dell'errore trasfusionale. (Raccomandazione n. 5/2008 Min. Salute e Decreto 2 novembre 2015 "Disposizioni relative ai requisiti di qualità e sicurezza del sangue e degli emocomponenti"). Ad ogni seduta trasfusionale si prende nota dei parametri trasfusionali e periodicamente saranno effettuati bilanci come da linee guida riportate in bibliografia;
- b) i controlli laboratoristici/strumentali dei soggetti trasfusione dipendente strettamente legati alla patologia e alle sue comorbidità/complicanze siano erogati in DH su posti letto dell'U.O. del Centro o dell'azienda di riferimento. Per i soggetti non trasfusione dipendente e per i quali non è necessario un setting assistenziale in DH, l'assistenza viene erogata in regime ambulatoriale e/o di day service.

4. di stabilire che, al fine di garantire ai pazienti trasfusioni dipendenti l'assistenza in regime di DH, i centri di microcitemia, di cui al punto 1, vengano incardinati in Unità Operative dotate di posti letto;

5. di istituire la "Rete della talassemia e delle emoglobinopatie" della Regione Puglia, individuando i "Centri talassemia ed emoglobinopatie", non più denominati "Centri Microcitemia" presso gli Ospedali di cui al punto 1. I Direttori Generali delle Asl, delle Aziende Ospedaliere ed i legali rappresentanti delle strutture private accreditate in cui insistono i centri microcitemia dovranno riorganizzarne l'attività, entro un mese dall'adozione del presente schema di provvedimento, qualora attualmente siano collocati in Servizi senza posti letto e non già in Unità Operative, stabilendone almeno un collegamento funzionale, al fine consentire l'erogazione delle prestazioni secondo gli standard strutturali, organizzativi e di sicurezza previsti dal regime assistenziale DH;

6. di rimandare, come indicato in allegato 1, per le modalità di prescrizione e di erogazione dei singoli farmaci previsti nel PDT alle vigenti disposizioni nazionali e regionali (ivi incluse le eventuali ulteriori indicazioni applicative emanate dalla competente struttura regionale in materia di assistenza farmaceutica);

7. di integrare la deliberazione di Giunta regionale n. 329 del 13/03/2018 relativa alla "Modifica e integrazione alla rete dei presidi della rete nazionale (PRN) e nodi della rete regionale (RERP) accreditati per le malattie rare", relativamente al codice malattia RDG010 "Anemie ereditarie (escluso: deficit di glucosio-6-fosfato deidrogenasi), con l'individuazione degli ulteriori nodi della rete (RERP) afferenti al PRN "A.O.U. Policlinico di Bari - Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII", così come di seguito descritto:

PRN	Malattia	Codice malattia	Presidio Ospedaliero	Unità Operativa
"Azienda Ospedaliero Consorziale Policlinico di Bari"	RDG010 "Anemie ereditarie (escluso: deficit di glucosio-6-fosfato deidrogenasi),	RDG010	Ospedale "Di Venere" di Bari	Unità Operativa di Medicina Generale
			Ospedale "Sacro Cuore" di Gallipoli	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Sacro Cuore" di Gallipoli (LE)

			Ospedale "Ferrari" di Casarano	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Ferrari" di Casarano (LE)
			Ospedale "Di Venere" di Bari	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Di Venere" di Bari

8. di stabilire che i "Centri talassemia ed emoglobinopatie" vengano individuati nel Sistema informativo regionale "Edotto, per il tramite della Sezione "Risorse strumentali e tecnologiche" con un sottocodice riferito sempre alla Unità Operativa di appartenenza;

9. di individuare l'Unità Operativa di Ematologia dell'Azienda Ospedaliero Consorziiale Policlinico di Bari, quale Centro Regionale di Riferimento della "Rete della talassemia e delle emoglobinopatie" (CR RTE) della Regione Puglia;

10. di dare atto che l'Unità Operativa di Pediatria Generale e Specialistica "B. Trambusti" -sezione Ematologia dell'Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII" possa condividere con la U.O. di Ematologia dell'Azienda Ospedaliero Consorziiale Policlinico di Bari percorsi per facilitare la continuità assistenziale nella fase di passaggio pediatrico/adulto, garantendo l'utilizzo delle competenze consolidate sulla talassemia ed emoglobinopatie;

11. di stabilire che l'attuazione del PDT/PDTA di cui all'Allegato del presente schema di provvedimento venga sottoposto a monitoraggio annuale sulla base degli indicatori di cui all'allegato PDTA, per il tramite del Gruppo di Lavoro, di cui alla D.G.R. n. 1231 del 28/07/2017 e alle determine dirigenziali n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018, che con il presente schema di provvedimento si intende integrato con il Referente rete Associazioni Malattie Rare Puglia "A.Ma.Re";

12. di stabilire che l'allegato documento possa essere modificato o aggiornato per il tramite della Sezione "Strategie e Governo dell'Offerta", qualora si evidenzino criticità in fase applicativa o sulla base delle nuove evidenze scientifiche;

13. di confermare quant'altro stabilito dalla normativa vigente nazionale e regionale in materia di malattie rare.

Il Presidente, sulla base delle risultanze istruttorie come innanzi illustrate, propone alla Giunta l'adozione del seguente atto finale ai sensi della L. R. n. 7/97, art. 4, lett. k.

COPERTURA FINANZIARIA AI SENSI DEL D.LGS. 118/2011

La presente deliberazione non comporta implicazioni di natura finanziaria sia di entrata che di spesa e dalla stessa non deriva alcun onere a carico del bilancio regionale.

LA GIUNTA

- udita la relazione e la conseguente proposta del Presidente;
- viste le sottoscrizioni poste in calce al presente provvedimento dal responsabile A.P. e dal Dirigente di Sezione;

a voti unanimi espressi nei modi di legge

DELIBERA

1. di prendere atto che attualmente l'assistenza alla talassemia ed alle emoglobinopatie è garantito presso i seguenti Centri con indicazione delle Unità operative/Servizi di riferimento:

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio trasfusionale dell'IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza";

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio trasfusionale dell'Azienda Ospedaliera "OO.RR." di Foggia;

✓ Centro di Microcitemia afferente alla Unità Operativa di Ematologia dell'Azienda Ospedaliero Consorziale Policlinico di Bari;

✓ Centro di Microcitemia afferente al Servizio Trasfusionale dell'Ospedale "Di Venere" di Bari;

✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Pediatria Generale e Specialistica "B. Trambusti" -Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII";

✓ Ambulatorio di Oncologia Ematologica - PTA "S. Nicola Pellegrino" - Trani;

✓ Centro di Microcitemia dell'Ospedale "Santissima Annunziata" di Taranto afferente all'Unità Operativa di Ematologia;

✓ Centro di microcitemia dell'Ospedale M. Giannuzzi di Manduria afferente Unità Operativa di Ematologia dell'Ospedale "Santissima Annunziata" di Taranto;

✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Ematologia dell'Ospedale Brindisi "Di Summa - Perrino";

- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina generale dell'Ospedale di Casarano "F. Ferrari";
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "V. Fazzi" di Lecce;
- ✓ Centro di Microcitemia afferente all'Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Sacro Cuore di Gesù" di Gallipoli.

2. di approvare il documento "Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) sul trattamento delle talassemie" di cui all'Allegato, composto da n. 60 (sessanta) fogli e parte integrante e sostanziale del presente provvedimento, condiviso e ratificato dal Gruppo di Lavoro Talassemie ed Emoglobinopatie congenite, istituito con la deliberazione di Giunta regionale n. 1231 del 28/07/2017 e con le successive determinazioni dirigenziali di nomina n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018;

3. di stabilire, in ottemperanza all'art. 43 del D.P.C.M. 12/01/2018 (nuovi LEA), che:

- a) la terapia trasfusionale in favore dei soggetti con TDT venga erogata in regime di DH (DH terapeutico) ai fini della sicurezza trasfusionale vengono messe in atto tutte le misure in grado di garantire la prevenzione dell'errore trasfusionale. (Raccomandazione n. 5/2008 Min. Salute e Decreto 2 novembre 2015 "Disposizioni relative ai requisiti di qualità e sicurezza del sangue e degli emocomponenti"). Ad ogni seduta trasfusionale si prende nota dei parametri trasfusionali e periodicamente saranno effettuati bilanci come da linee guida riportate in bibliografia;
- b) i controlli laboratoristici/strumentali dei soggetti trasfusione dipendente strettamente legati alla patologia e alle sue comorbidità/complicanze siano erogati in DH su posti letto dell'U.O. del Centro o dell'azienda di riferimento. Per i soggetti non trasfusione dipendente e per i quali non è necessario un setting assistenziale in DH, l'assistenza viene erogata in regime ambulatoriale e/o di day service.

4. di stabilire che, al fine di garantire ai pazienti trasfusioni dipendenti l'assistenza in regime di DH, i centri di microcitemia, di cui al punto 1, vengano incardinati in Unità Operative dotate di posti letto;

5. di istituire la "Rete della talassemia e delle emoglobinopatie" della Regione Puglia, individuando i "Centri talassemia ed emoglobinopatie", non più denominati "Centri Microcitemia" presso gli Ospedali di cui al punto 1. I Direttori Generali delle Asl, delle Aziende Ospedaliere ed i legali rappresentanti delle strutture private accreditate in cui insistono i centri microcitemia dovranno riorganizzarne l'attività, entro un mese dall'adozione

del presente provvedimento, qualora attualmente siano collocati in Servizi senza posti letto e non già in Unità Operative, stabilendone almeno un collegamento funzionale, al fine consentire l'erogazione delle prestazioni secondo gli standard strutturali, organizzativi e di sicurezza previsti dal regime assistenziale DH;

6. di rimandare, come indicato in allegato 1, per le modalità di prescrizione e di erogazione dei singoli farmaci previsti nel PDT alle vigenti disposizioni nazionali e regionali (ivi incluse le eventuali ulteriori indicazioni applicative emanate dalla competente struttura regionale in materia di assistenza farmaceutica);

7. di integrare la deliberazione di Giunta regionale n. 329 del 13/03/2018 relativa alla "Modifica e integrazione alla rete dei presidi della rete nazionale (PRN) e nodi della rete regionale (RERP) accreditati per le malattie rare", relativamente al codice malattia RDG010 "Anemie ereditarie (escluso: deficit di glucosio-6-fosfato deidrogenasi), con l'individuazione degli ulteriori nodi della rete (RERP) afferenti al PRN "A.O.U. Policlinico di Bari - Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII", così come di seguito descritto:

PRN	Malattia	Codice malattia	Presidio Ospedaliero	Unità Operativa
"Azienda Ospedaliero Consorziale Policlinico di Bari"	RDG010 "Anemie ereditarie (escluso: deficit di glucosio-6-fosfato deidrogenasi),	RDG010	Ospedale "Di Venere" di Bari	Unità Operativa di Medicina Generale
			Ospedale "Sacro Cuore" di Gallipoli	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Sacro Cuore" di Gallipoli (LE)
			Ospedale "Ferrari" di Casarano	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Ferrari" di Casarano (LE)

			Ospedale "Di Venere" di Bari	Unità Operativa di Medicina Generale dell'Ospedale "Di Venere" di Bari
--	--	--	------------------------------------	---

8. di stabilire che i "Centri talassemia ed emoglobinopatie" vengano individuati nel Sistema informativo regionale "Edotto, per il tramite della Sezione "Risorse strumentali e tecnologiche" con un sottocodice riferito sempre alla Unità Operativa di appartenenza;

9. di individuare l'Unità Operativa di Ematologia dell'Azienda Ospedaliero Consorziiale Policlinico di Bari, quale Centro Regionale di Riferimento della "Rete della talassemia e delle emoglobinopatie" (CRRTE) della Regione Puglia;

10. di dare atto che l'Unità Operativa di Pediatria Generale e Specialistica "B. Trambusti" -sezione Ematologia dell'Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII" possa condividere con la U.O. di Ematologia dell'Azienda Ospedaliero Consorziiale Policlinico di Bari percorsi per facilitare la continuità assistenziale nella fase di passaggio pediatrico/adulto, garantendo l'utilizzo delle competenze consolidate sulla talassemia ed emoglobinopatie;

11. di stabilire che l'attuazione del PDT/PDTA di cui all'Allegato del presente schema di provvedimento venga sottoposto a monitoraggio annuale sulla base degli indicatori di cui all'allegato PDTA, per il tramite del Gruppo di Lavoro, di cui alla D.G.R. n. 1231 del 28/07/2017 e alle determine dirigenziali n. 223 del 3/10/2017, n. 241 del 19/10/2017 e n. 4 dell'11/01/2018, che con il presente schema di provvedimento si intende integrato con il Referente rete Associazioni Malattie Rare Puglia "A.Ma.Re";

12. di stabilire che l'allegato documento possa essere modificato o aggiornato per il tramite della Sezione "Strategie e Governo dell'Offerta", qualora si evidenzino criticità in fase applicativa o sulla base delle nuove evidenze scientifiche;

13. di confermare quant'altro stabilito dalla normativa vigente nazionale e regionale in materia di malattie rare;

14. di notificare il presente provvedimento, a cura della Sezione "Strategie e Governo dell'Offerta" alla Sezione "Risorse strumentali e tecnologiche", ai Direttori Generali delle ASL, Aziende Ospedaliero Universitarie, IRCCS pubblici e privati, Enti Ecclesiastici nonché ai

componenti del Gruppo di lavoro regionale delle talassemie ed emoglobinopatie e alle Associazioni dei pazienti microcitemici della Regione Puglia;
15. di pubblicare il presente atto sul BURP.

IL Segretario della Giunta

Il Presidente della Giunta

I sottoscritti attestano che il procedimento istruttorio loro affidato e' stato espletato nel rispetto della vigente normativa regionale, nazionale e comunitaria e che il presente schema di provvedimento, predisposto dal Responsabile A.P. e quindi dalla Sezione Strategia Governo dell'Offerta, ai fini dell'adozione dell'atto finale da parte della Giunta Regionale, e' conforme alle risultanze istruttorie.

IL RESPONSABILE A.P.: **Antonella CAROLI**

IL DIRIGENTE di Sezione: **Giovanni CAMPOBASSO**

IL DIRETTORE di Dipartimento Promozione della salute, del benessere sociale e dello sport per tutti: **Giancarlo RUSCITTI**

IL PRESIDENTE: **Michele EMILIANO**

**REGIONE PUGLIA
ASSESSORATO ALLA SANITÀ**

SEZIONE STRATEGIE E GOVERNO DELL'OFFERTA

ALLEGATO

**Il presente allegato è composto da
n. 60(sessanta) fogli, escluso il presente**

**Il Dirigente del Sezione
(dott. Giovanni CAMPOBASSO)**